



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/31154/2011
EMA/H/C/000636

Résumé EPAR à l'intention du public

Myozyme

alpha alglucosidase

Ce document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Myozyme. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a procédé l'a conduit à rendre un avis favorable à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché et à établir ses recommandations relatives aux conditions d'utilisation de Myozyme.

Qu'est-ce que Myozyme?

Myozyme est une poudre destinée à être reconstituée en solution pour perfusion (goutte à goutte dans une veine). Il contient le principe actif alpha alglucosidase.

Dans quel cas Myozyme est-il utilisé?

Myozyme est utilisé dans le traitement des patients adultes atteints de la maladie de Pompe, maladie héréditaire rare. Les patients atteints de la maladie de Pompe présentent un déficit en une enzyme appelée alpha-glucosidase. Cette enzyme a normalement pour fonction de dégrader le sucre stocké sous la forme de glycogène en glucose qui peut être utilisé par les cellules de l'organisme pour produire de l'énergie. En l'absence de cette enzyme, le glycogène s'accumule dans certains tissus, notamment dans les tissus musculaires, y compris le cœur et le diaphragme (le principal muscle de la respiration situé sous les poumons). L'accumulation progressive de glycogène entraîne toute une série de symptômes, dont une augmentation du volume du cœur, des difficultés respiratoires et une faiblesse musculaire. La maladie se déclare à la naissance (forme «infantile») mais également à un stade ultérieur de la vie (forme «tardive»).

Étant donné le faible nombre de patients atteints de la maladie de Pompe, cette maladie est dite «rare», et Myozyme a reçu la désignation de «médicament orphelin» (un médicament utilisé dans le traitement de maladies rares), le 14 février 2001.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.



Comment Myozyme est-il utilisé?

Le traitement avec Myozyme doit être suivi par un médecin ayant l'expérience de la prise en charge de patients atteints de la maladie de Pompe ou d'autres maladies héréditaires du même type.

Myozyme est administré par perfusion à raison de 20 mg par kilogramme de poids corporel, une fois toutes les deux semaines. La perfusion doit commencer lentement et augmenter graduellement aussi longtemps qu'aucun signe d'effet indésirable associé à la perfusion n'est constaté.

Comment Myozyme agit-il?

Myozyme est un traitement enzymatique substitutif. Le traitement enzymatique substitutif permet d'apporter aux patients l'enzyme qui leur fait défaut, en l'occurrence l'alpha-glucosidase. Le principe actif de Myozyme est l'alpha alglucosidase, une copie de l'enzyme humaine alpha-glucosidase, produite selon une méthode connue sous le nom de «technologie de l'ADN recombinant»: l'enzyme est fabriquée par une cellule ayant reçu un gène (ADN) la rendant capable de produire cette enzyme. L'enzyme de substitution contribue à éliminer le glycogène et à empêcher son accumulation anormale à l'intérieur des cellules.

Quelles études ont été menées sur Myozyme?

Myozyme a été étudié dans le cadre de deux études principales auprès d'un total de 39 bébés et enfants âgés de trois ans et demi au plus, atteints de la forme infantile de la maladie de Pompe. Ces patients ont été comparés à un «groupe de comparaison historique» de bébés et jeunes enfants atteints de la maladie de Pompe et n'ayant pas reçu de traitement ni participé aux études. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était le nombre de patients ayant survécu et le nombre de patients n'ayant pas besoin d'assistance respiratoire.

Myozyme a également été comparé avec un placebo (un traitement fictif) dans une étude principale incluant 90 patients atteints de la forme tardive de la maladie. Les principaux critères d'évaluation de l'efficacité étaient l'accroissement de la distance que les patients étaient capables de parcourir en six minutes et leur «capacité vitale forcée» (une évaluation des performances des poumons). L'étude a duré 18 mois au plus.

Quel est le bénéfice démontré par Myozyme au cours des études?

Dans la première étude principale, qui incluait des bébés de moins de six mois, les 18 patients traités par Myozyme étaient tous en vie à l'âge de 18 mois, et 15 d'entre eux n'avaient pas besoin d'assistance respiratoire. En revanche, seul un des 42 patients du groupe de comparaison historique était en vie à l'âge de 18 mois. Les résultats ont été confirmés dans l'autre étude, à laquelle participaient des enfants âgés de six mois et trois ans et demi.

Dans la forme tardive de la maladie, Myozyme a été plus efficace que le placebo, tant dans l'augmentation de la distance que les patients étaient capables de parcourir que dans l'amélioration de leur fonction pulmonaire au cours de l'étude.

Quel est le risque associé à l'utilisation de Myozyme?

Au cours des études menées chez les patients atteints de la forme infantile de la maladie de Pompe, les effets indésirables les plus couramment observés (chez plus d'un patient sur 100) étaient les suivants: tachycardie (rythme cardiaque élevé), bouffées vasomotrices (rougeur), toux, tachypnée (fréquence respiratoire élevée), vomissements, urticaire (démangeaisons), éruption cutanée, pyrexie

(fièvre) et baisse de la saturation en oxygène (faibles taux d'oxygène dans le sang). Dans l'étude sur la forme tardive de la maladie, les patients présentaient de nombreux effets indésirables identiques, mais ces derniers étaient moins fréquents que dans les études portant sur la forme infantile de la maladie. Pratiquement tous les effets indésirables observés sous Myozyme sont survenus pendant ou immédiatement après la perfusion et étaient d'intensité légère à modérée. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Myozyme, voir la notice.

Les patients qui reçoivent Myozyme peuvent développer des anticorps (protéines produites en réponse à Myozyme). L'effet de ces anticorps sur la sécurité et l'efficacité de Myozyme n'est pas encore connu.

Myozyme ne doit pas être utilisé chez les patients ayant présenté une réaction anaphylactique (réaction allergique grave) à l'alpha alglucosidase ou à l'un des autres composants ayant engagé le pronostic vital, et qui ne pourrait pas être gérée en administrant le médicament à un débit de perfusion inférieur et à dose réduite.

Pourquoi Myozyme-t-il été approuvé?

Le CHMP a estimé que les bénéfices de Myozyme sont supérieurs à ses risques et a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

Quelles sont les mesures prises pour assurer la sécurité de Myozyme?

La société qui fabrique Myozyme met actuellement en place un plan garantissant que ce médicament est utilisé en toute sécurité, en suivant la manière dont les patients sous Myozyme développent des anticorps, en créant un registre accessible à tous les patients atteints de la maladie de Pompe, et en s'assurant que les médecins sont au courant des réactions liées à la perfusion.

Autres informations relatives à Myozyme

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Myozyme à Genzyme Europe B.V, le 29 mars 2006. L'autorisation de mise sur le marché est valide pour une période illimitée.

L'EPAR complet relatif à Myozyme est disponible sur le site web de l'Agence sous ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Pour plus d'informations sur le traitement par Myozyme, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Myozyme est disponible sur le site web de l'Agence sous ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Dernière mise à jour du présent résumé: 01-2014.